



GRIERSON, David [CA/FR]; 2, rue Gabriel, F-78000 Versailles (FR).

(74) **Mandataires :** MARTIN, Jean-Jacques etc.; Cabinet Regimbeau, 20, rue de Chazelles, F-75847 Paris Cedex 17 (FR).

(81) **États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre de protection nationale disponible) :** AE, AG, AL, AM, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG, MK, MN, MW, MX, MZ, NA, NI, NO, NZ, OM, PG, PH, PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(84) **États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre de protection régionale disponible) :** ARIPO (BW, GH,

GM, KE, LS, MW, MZ, NA, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), eurasien (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), européen (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL, PL, PT, RO, SE, SI, SK, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Déclaration en vertu de la règle 4.17 :

— relative à la qualité d'inventeur (règle 4.17.iv)) pour US seulement

Publiée :

— sans rapport de recherche internationale, sera republiée dès réception de ce rapport

En ce qui concerne les codes à deux lettres et autres abréviations, se référer aux "Notes explicatives relatives aux codes et abréviations" figurant au début de chaque numéro ordinaire de la Gazette du PCT.

**(12) DEMANDE INTERNATIONALE PUBLIÉE EN VERTU DU TRAITÉ DE COOPÉRATION
EN MATIÈRE DE BREVETS (PCT)**

**(19) Organisation Mondiale de la Propriété
Intellectuelle
Bureau international**



(43) Date de la publication internationale
17 mars 2005 (17.03.2005)

PCT

(10) Numéro de publication internationale
WO 2005/023255 A2

(51) Classification internationale des brevets⁷ :
A61K 31/437, 31/403

(71) Déposants (*pour tous les États désignés sauf US*) :
CENTRE NATIONAL DE LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE (CNRS) [FR/FR]; 3, rue Michel Ange,
F-75016 Paris (FR). **UNIVERSITE MONTPELLIER II** [FR/FR]; Place Eugène Bataillon, F-34095 Montpellier Cedex 5 (FR). **INSTITUT CURIE** [FR/FR]; 26, rue d'Ulm, F-75005 Paris (FR).

(21) Numéro de la demande internationale : PCT/FR2004/002261

(22) Date de dépôt international : 6 septembre 2004 (06.09.2004)

(25) Langue de dépôt : français

(72) Inventeurs: et

(26) Langue de publication : français

(75) Inventeurs/Déposants (pour US seulement) : TAZI,

(30) Données relatives à la priorité :

SORET, Johann [FR/FR]; 5, chemin des Lauzières,

0310460 4 septembre 2003 (04.09.2003) FR
0400973 2 février 2004 (02.02.2004) FR

F-34820 leyrac (FR). JEANTEUR, Philippe [FR/FR];

68 | Page

(54) Title: USE OF INDOLE-DERIVED COMPOUNDS FOR THE PREPARATION OF A MEDICAMENT THAT CAN BE USED TO TREAT DISEASES RELATED TO THE SPLICING PROCESS

(54) Titre : UTILISATION DE COMPOSES DERIVES D'INDOLE POUR LA PREPARATION D'UN MEDICAMENT UTILE POUR LE TRAITEMENT DE MALADIES LIEES AU PROCESSUS D'EPISSAGE

- A B C₂ C₃ D E F G H I C₁₁ J K L

(57) Abstract: The invention relates to indole-derived compounds and to the use of said compounds for the preparation of a medicament that can be used to treat diseases related to the process of splicing pre-messenger RNAs in the cell, such as Frasier syndrome, frontotemporal dementia linked to chromosome 17 (a form of Parkinson's disease), Leigh syndrome (a type of encephalopathy), atypical cystic fibrosis, certain neuropathologies including Alzheimer's disease linked to a mutation in the Tau protein, muscle atrophy which affects the SMN (Survival of Motor Neuron) gene, depression linked to a serotonin splicing impairment, and certain cancers in which the global splicing process is affected (e.g. breast cancer, colon cancer and certain lymphomas), as well as viral diseases such as AIDS.

(57) Abrégé : Composés dérivés d'indole et utilisation desdits composés pour la préparation d'un médicament utile pour traiter des maladies liées au processus d'épissage des ARN pré-messagers dans la cellule, et notamment le syndrome de frasier, la démence fronto-temporale liée au chromosome 17 (une forme du Parkinson), le syndrome de Leigh (type d'encéphalopathie), la mucoviscidose atypique, certaines neuropathologies dont notamment l'Alzheimer lié à